

---

# RWD 及び RWE 活用のための課題整理と 優先順位付けラウンドテーブル 報告書

日本製薬工業協会 医薬品評価委員会

医療情報 DB 活用促進 TF

Sub-Team 2：RWD 利活用のスキルアップ関連活動

## <要点>

- 
- 臨床開発、Medical Affairs、市販後安全性、HEOR/HTA の 4 分野別に RWD/RWE の課題とその優先順位を議論した
  - 4 分野のいずれの分野でも「社内において RWD/RWE の価値・有用性を示しにくい（理解が得られにくい）」、「RWD 利用の体制・役割分担・プロセスが発展途上（リソース・コストの予見可能性が低い）」という課題が挙がった
  - 4 分野でそれぞれ RWD への要求事項（データの項目、質、信頼性確認、網羅性・追跡性）が異なっており、各分野で重要視している事項を記載した（2 項）
  - RWD/RWE の利用目的や方法のカタログを整理し、そのカテゴリごとに必要な体制・役割分担・プロセスを示すことで、コスト・リソースの予見可能性を向上させ、利用の意思決定を促進することが重要と考えられた
- 

2025 年 05 月

## 1. はじめに

医薬品の臨床開発、市販後の安全性・有用性評価の分野でリアルワールドデータ（RWD）の活用に対する期待は年々高まっている。臨床開発分野でRWDの活用が活発に議論されるようになったのは米国において2016年12月に署名されたThe 21st Century Cures Actがきっかけとされている。この法律の中で、医薬品の承認において無作為化臨床試験以外の情報源に基づくリアルワールドエビデンスの利用可能性を評価することが盛り込まれ、米国のFood and Drug Administration（FDA）がその後多くのガイダンスを発行した。この流れを受けて、日本においても医薬品医療機器総合機構（PMDA）にRWDワーキンググループが設置され、レジストリやデータベース等のリアルワールドデータに関する課題を包括的に取り扱い、医薬品や医療機器等の開発段階から製造販売後における安全性監視活動までライフサイクルを通じたRWD活用に関する基本的考え方及び信頼性の担保に関する考え方が整備されている。また、このような薬事規制改革と並行して、医療DXの推進事業の中で、National Database（NDB）等の公的Database（DB）の2次利用促進、全国医療情報プラットフォームの構築と2次利用基盤の議論が進展している。

日本の製薬業界におけるRWD/RWE活用事例は国内外の公表論文や審査報告書等を基に、研究成果と経験が共有されてきた（Reference 項参照）。一方で、RWDは公表を前提とした学術研究目的以外でも、企業活動の中の意思決定をする際の情報の一部として利用されている。これらの多くは患者数の把握といった記述解析が中心であり、その経験が共有される機会は限られていた。

医療情報DB推進TFのサブチーム2（以下、ST2）は製薬業界でのRWD/RWE活用の課題を特定し、活用促進を行うチームとして発足し活動している。ST2では日本でのRWD/RWE活用促進を検討する上で、公表されていないRWDの活用事例も含めて意見交換・議論をする場を設け、日本におけるRWD/RWE活用の課題を洗い出し、課題の優先順位付けを行う目的で、製薬協加盟会社のRWD/RWE活用に関わる方を対象としてラウンドテーブルを開催した。本書はラウンドテーブルで整理された課題をまとめた報告書となっている。本ラウンドテーブルでは、RWDの活用場面を「臨床開発」、「Medical Affairs（MA）」、「市販後安全性」、「HEOR（Health Economic and Outcome Research）/HTA（Health Technology Assessment）」の4つに分類し、各活用場面での課題の共通点・違いをまとめた。

## 2. RWD及びRWE活用のための課題整理と優先順位付けラウンドテーブル

### 2.1. ラウンドテーブルの概要

ST2が開催したラウンドテーブルの概要を以下に示す。

開催名称	RWD/RWE活用のための課題整理/優先順位付けラウンドテーブル
目的	RWD/RWE活用における課題の整理・そこから導かれる根本的な課題、課題の優先順位付けを目的とした
対象者	製薬協加盟会社に所属し、以下の(1)及び(2)に該当する方： (1) 業務でRWD/RWE活用の経験を持つ、または利用を推進又は統括する立場にある (2) RWD/RWE推進に関して課題意識を持っている

開催の日時・場所及び会議形式	開催日時：2024年11月20日（水）12:00-17:00 開催場所：製薬協3AB会議室（日本橋ライフサイエンスビルディング） 会議形式：対面
議題	イントロダクション RWD/RWE活用の現状及び参加申込時のアンケートで得られた課題の共有 グループディスカッション RWD/RWEを活用する上での課題の整理・そこから導かれる根本的な課題、課題の優先順位付け 議論内容の共有
議論の進め方とまとめ方	参加者へ事前アンケートを取り、参加者がRWD/RWEを活用する分野又はその興味を持つ分野、並びに参加者が感じる課題を収集した。アンケート収集結果に基づき、RWD/RWE活用分野で参加者を9つにグループ分けした（グループ1,2：臨床開発、グループ3~6：Medical Affairs、グループ7,8：市販後安全性、グループ9：HEOR/HTA）。当日はグループごとに活用場面及び課題を議論し、その結果をフィッシュボーン図の形で要約するとともに、グループとして考える課題の優先順位を3位まで付与した。
事前アンケートの内容	課題を感じている領域 医療情報DB活用に関する業務経験 RWD/RWE活用を促進する上で解決すべき重要な課題と感ずる点
グループと人数	臨床開発（グループ1,2；8人+ST2メンバー2人） Medical Affairs（グループ3,4,5,6；14人+ST2メンバー4人） 市販後安全性（グループ7,8；5人+ST2メンバー2人） HEOR/HTA（グループ9；3人+ST2メンバー1人）

## 2.2. 各活用分野での議論のまとめ

ラウンドテーブルで議論した内容を活用分野ごとに要約した。要約の際は、各分野での対比がしやすいよう、各活用分野の業務概要及び考えられるRWD/RWE活用場面を記載し、その後、議論で挙げたRWD/RWEを当該分野で活用する上での課題をST2にて整理して記載した。さらに、製薬協として優先的に取り組むべき課題は何かについてもまとめた。

### 2.2.1. 臨床開発

#### (1) 業務概要・考えられるRWD/RWE活用場面

業務の例	業務の概要・考えられるRWD/RWE活用場面
開発戦略	<ul style="list-style-type: none"> <li>対象疾患の選定</li> <li>疾患の発生率と有病率の算出</li> <li>疾患治療のパターン調査</li> <li>患者および介護者の疾患負担の探索</li> <li>現在の治療の未充足ニーズの特定</li> </ul>

臨床試験デザイン	<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 実現可能性調査</li> <li>・ 潜在的な交絡因子の調査（評価項目に影響を与える要因の調査）</li> <li>・ 疾患の自然経過調査</li> <li>・ 試験において重要な有効性・安全性イベントの背景発現率等の調査</li> <li>・ 外部対照群</li> </ul>
治験参加促進	治験候補患者の特定
申請資料	評価資料・参考資料
適応拡大	公知申請を含めた申請資料におけるエビデンス

## (2) RWD/RWE を活用する上での課題

RWD 活用の課題を整理すると、大きく以下のカテゴリに分けることができた。

課題	詳細
RWD/RWE の価値/有用性を示しにくい （価値・有用性の理解が得られにくい）	(1)項に示した開発戦略や試験デザイン、治験参加者促進検討への RWD 活用はあくまで意思決定に使用される根拠の一部であり、RWD/RWE のみで意思決定されることはないため費用対効果を明確に示すことが困難。これまで RWD を使用せずに意思決定をしてきたため、RWD を使用するための追加の予算確保が難しく、RWD を利用した検討そのものを開始できない場合がある。外部対照群等の試験デザイン上で RWD を利用する場合は、予算の確保とその有用性を説明しやすい。ただし、試験デザインに組み込むような事例は、希少疾患等の無作為化臨床試験の実施が困難な場合に限られている。
部門間の連携が成熟していない	RWD を扱う担当者の責務や RWD/RWE 関連業務への他部門の理解（RWE 創出のために必要な業務プロセス、タイムライン、予算管理等のプロジェクト管理）が確立しておらず属人的対応となるため、部門間調整に時間を要する。ただし、外資系企業では試験計画段階でグローバルのワーキングチームに RWD/RWE 担当者が参画し効果的に連携できている場合もある。
企業間での活用事例の情報共有がしにくい	社内の意思決定の根拠の一部として使用される場合が多く、公開資料として公表されにくい。公開される事例は試験デザインに組み込まれた事例等の成功事例で限定的である。RWD を利用したがうまくいかなかった事例や利用できたが公表されていない事例の具体的な経験談の共有は会社の機密情報と関連することがあり難しい。
RWD の質・信頼性確認・網羅性の課題	[データの質] 承認申請を意図して 1 次収集をする臨床試験のデータと比べて、（承認申請を意図して構築しているレジストリを除き）RWD の多くは承認申請での利用

	<p>を意図したデータの信頼性保証はしておらず、RWDの収集意図である1次利用目的に依存した質の管理が行われている。</p> <p>[データの信頼性確認] 薬事利用する際にはRWDの1次利用目的とそのデータの質の管理を2次利用者が調査する負担が大きい。また、1次利用しているデータ保有者に対して2次利用者がデータの質の管理に介入することは一般に難しいため、研究課題に対する質の正当化と限界を2次利用者が行う負担が大きい。</p> <p>[網羅性] レジストリは臨床開発上で必要な評価項目が網羅されている可能性があるものの対象とする疾患に限定すると症例数が少ない場合が多い。一方、レジストリ以外では症例数が多いものの必要な評価項目（特に有効性関連）が網羅されていない場合が多い。そのため、目的に整合した国内のRWDが少ない課題がある。</p>
RWDを利用するまでに時間と労力（手続き・契約等）がかかる	<p>データベース研究を計画する場合、実施可能性の検討を事前に行い、実施するか意思決定を行う必要がある。実施可能性の検討に際しても、利用の手続きや契約等に一定の時間がかかる。既に包括契約を行い、いつでも利用可能な状態になっている場合を除き、データベース研究の計画をするかどうか意思決定のためにも利用手続きや契約に時間がかかるため、利用計画自体を断念することもある。また、実施可能性の検討をした結果、データベースが研究に適していない場合もあり、その場合に費用だけがかかり利用価値を示しにくい。</p>
外部対照群等での利用が認められる機会が稀	<p>外部対照群等でRWDを利用するためには、試験の評価項目や適格基準、共変量調整に必要な変数のデータが2次利用できる必要があり、上に示した「データベースの質・信頼性確認・網羅性」の課題から利用が適さない場合が多い。適切なデータベースがある場合においても、未測定交絡因子の影響評価等無作為化臨床試験と比較して外部対照デザインの妥当性を正当化する課題があり、疾患の重篤性や希少性等の様々な要因に依存して、認められる機会は稀である。</p>

挙げた課題の内、比較的優先順位が高いものを挙げると以下の通りであった。

グループ	優先順位が高い課題
1、2	RWD/RWEの価値/有用性を示しにくい (価値・有用性の理解が得られにくい)
1、2	部門間の連携が成熟していない
1	企業間での活用事例の情報共有がしにくい
2	RWDの質・信頼性確認・網羅性の課題

上記課題と解決策を以下に考察した。

**【RWD/RWE の価値/有用性を示しにくい、企業間での活用事例の情報共有がしにくい】**

RWD の利用には DB の利用料や解析費用等の経費が必要となるため、それに見合う価値を説明する必要がある。RWD 活用事例の多くは意思決定に使用される根拠の一部であり、RWD/RWE のみで意思決定されることはないため、RWD 利用の費用対効果を示しにくい。

臨床開発における RWD の活用は製薬業界としても経験の蓄積が必要な分野であり、RWD/RWE の価値/有用性についてはガイドラインや報告書等で使用例ごとに内容だけでなく費用や人的リソースの観点も加えてわかりやすく説明することが第一歩となる。また、公的 DB の利用環境の整備に伴い、安価に効率的に RWD を利用する方法を確立していく必要がある。

**【部門間の連携が成熟していない】**

RWD を用いた検討を開始できる場合でも、RWD 利用に関わるタイムライン・プロセス・予算管理等のプロジェクト管理に対する理解不足や手順書等の未整備により、部門間の連携が上手く進まず、部門間調整に多くの時間を要するという指摘があった。これは RWD の利用に関して SOP 等の手順書が成熟しておらず、各社、役割分担や利用のプロセスが整備途上にあることが伺える（SOP はあるが、更新頻度が高い状態にあるため整備途上と記した）。臨床試験と比べると非介入研究のエビデンスレベルは多様であるため、目的に適合した信頼性を確保する研究実施のプロセスは様々なグレードがあり、一様にプロセスを規定しにくい事情が伺える。

役割やプロセスの整備がされれば、費用や人的リソースの見積もりが立てやすくなる。これは上記の RWD 利用の費用対効果を示す際の費用の部分の予見可能性を高めることにも相当し、RWD 利用の意思決定に関わる重要な課題と考えた。

薬事利用だけでなく、社内の意思決定のみで利用する場合においても、役割分担や必要なプロセスを整理することは本課題の解決策になると考える。

**【データベースの質・信頼性確認・網羅性の課題】**

RWD の特徴はデータを 2 次利用することにある。データの質は 1 次利用目的に応じて設定されており、薬事利用を目的として構築しているレジストリ等を除けば 2 次利用目的側の望む品質を 1 次利用側のデータ管理に求めることは一般に難しい。また、データの管理は膨大な組織（医療機関や保険者）でそれぞれ管理されているものをデータベース保有者が収集しているため、信頼性保証のために各組織の管理手順を 1 つ 1 つ確認する作業は現実的ではない。また、2 次利用者がデータベース保有者が収集している元の組織のデータ管理の手順書等を閲覧できない場合もある。例として、匿名加工情報を利用する場合は、匿名加工情報を扱っているデータベース保有者に元の組織がどこであるかを 2 次利用者側は知ることができないため、手順書は閲覧できない。

医療データの標準化が進めば、1 次利用の質の保証にもなり（全国共通のルールが適用され遵守されればデータの質も保証される）、2 次利用する際のデータの信頼性保証の負荷を軽減する役割を持つ。網羅性の課題は公的 DB の仮名化の議論と DB 間の

連結が進むことで解決に向かう可能性がある。ただし、さらに網羅性を高めるには、電子カルテ情報共有サービスで診療上利用する（1次利用）情報を3文書6情報<sup>1</sup>からさらに拡大し、2次利用できる電子カルテDBで利用できる医療情報が拡大されることを期待する。

**【RWDを利用するまでに時間と労力（手続き・契約等）がかかる】**

データベースへのアクセスに時間がかかると実施可能性の検討すらできずに利用を断念することとなり得る。

利用頻度が高くなれば、データベース保有者と2次利用者側で利用の時間と労力の効率化について議論する土壌が整う。

## 2.2.2. Medical Affairs

### (1) 業務概要・考えられるRWD/RWE活用場面

MAでのRWD/RWE活用は、主に満たされていない医療ニーズを特定し、データギャップを埋め、医療現場に必要な情報を提供することを目的としている。広範な患者データを用いた疾患疫学研究、疾病負担研究、治療パターン分析、使用実態調査、有用性・安全性の評価を実施し、結果をもとに下記の業務に活用している。

業務の例	業務の概要・考えられるRWD/RWE活用場面
エビデンスの構築	臨床研究の企画・推進・支援を行い、医薬品の有用性・安全性に関する科学的根拠を構築する。
メディカル戦略の構築と実行	販売促進活動とは独立した科学的根拠に基づく戦略の策定に活用する。
市販後の使用実態・有用性・安全性情報の分析	市販後の医薬品の使用実態、有用性や安全性に関する分析に活用することで、適正使用の推進に寄与する。疾患疫学研究、疾病負担研究、治療パターン分析、使用実態調査等も含まれる。
医学専門家との意見交換	医療従事者との科学的なコミュニケーションを通じて、最新の知見や現場のニーズを把握し、製品の改良や新たな治療法の開発に活かす。
疾患啓発活動	医療従事者や患者に対し、疾患や治療法に関する正確で最新の情報を提供し、理解を深めてもらうための教育活動を行う。

### (2) RWD/RWEを活用する上での課題

RWD/RWE活用の課題を整理すると、大きく以下のカテゴリに分けることができた。

課題	詳細
RWD分析人材不足で研究ができない	リサーチクエスチョンを研究として形にするために、どんなスキルを持ったメンバーでチームを組んで良いのかが分からず、分析に結びつける体制が組めない。データに依存

<sup>1</sup> 3文書（診療情報提供書、退院時サマリ、健康診断結果報告書）6情報（①傷病名、②アレルギー情報、③感染症情報、④薬剤禁忌情報、⑤検査情報、⑥処方情報）

	する課題に対する対処法にたどり着かず、研究が中断してしまう。
部門間の連携・研究プロセスが成熟していない	MA内外において、RWD分析に必要な専門性やコストといったリソース、プロセスへの理解が不足していることが、RWD分析に関わる担当者の負担となっている。
RWD/RWEの価値/有用性を示しにくい (価値・有用性の理解が得られにくい)	データ利用の投資対効果を示すことが難しく、データ購入への会社としてのコミットメントが引き出しにくい。特に、新規に利用を検討する場合、理解が得られにくい。医療施設に対して、医療施設データ利用のメリットが十分に認識されておらず、データ提供への理解が得られないことがある。
RWDの網羅性・質・不均一性の課題	[網羅性] 現在利用可能なデータベースからは曝露やアウトカム等の情報取得が困難のため、研究の企画が難しい。1次データの収集 (Primary data collection) で行う研究とは意識を切り替えた企画力が求められるが、解決策が見つからず課題となっている。 [データの質] 非構造化データや、電子カルテのシステムや記録方式の違いによる非標準化・不均一性が、解析計画を立てる上で難易度をあげている。 [データの不均一性] データの収集項目数の課題だけでなく、RWDの情報源は日常診療の記録であることから、集積されやすいデータと集積されにくいデータがあり、その傾向も医療機関ごとに異なる可能性がある。例えば、入院期間の医療情報は日常診療の記録量が多いこと、医療機関によって実施する検査に違いが生じることなどがある。
臨床疫学研究への投資不足	欧米と比較するとアウトカム定義のバリデーション研究等の疫学の基礎となる研究が十分でない。このことが対象疾患の抽出精度の課題等が生じ、研究上の限界や日本と欧米間での議論の隔たりを生み出している。

挙げた課題の内、比較的優先順位が高いものを挙げると以下の通りであった。

優先順位が高い課題
① RWDの網羅性・質・不均一性の課題
② RWD/RWEの価値/有用性を示しにくい (価値・有用性の理解が得られにくい)
③ RWD分析人材不足で研究ができない

MAにおいてRWDの利用を検討した際に、まずは社内投資を引き出せるかが最初の障壁となっていることがわかった (RWD/RWEの価値/有用性を示しにくい課題)。投資が得られ研究に移行したものの、限界が多いという課題 (RWDの網羅性・質・不均一性の課題) や、それを解決するためのスキルやマンパワー、サポート体制が十分ではないために研究の遂行が難しい (RWD分析人材不足) という課題が続き、これらが相互に影響を及ぼし合い、状況をより困難なものにしている可能性が考えられ

た。RWD 分析人材不足の課題は、単に人材がいないという指摘ではなく、この背景には、臨床開発の項に記載した「部門間の連携が成熟していない」課題と同じく、RWD を利用する際の SOP 等の手順書、役割分担等が未成熟であることがあると考察した。

この状況を打開するための解決策を以下に考察する。

MA 領域における RWD の利用は、実臨床に即した有用性・安全性の評価を可能にする一方で、「①データの質や網羅性、不均一性の課題」が依然として存在する。これらの課題を克服するためのノウハウが不足している。これが「③RWD 分析人材不足の課題」として表れている。人材獲得や人材育成も重要な指摘ではあるが、「②RWD/RWE の価値/有用性を示しにくい課題」と合わせると、容易に人材育成・獲得への投資が得られにくい状況がある。解決策の一步は MA 領域においても RWD を利用した研究を実施する際の体制整備、役割分担、プロセスを確立し、研究実施に係るリソースの見積もり、スケジュール等の予測精度を上げることではないかと考察する。

その他に、国内外の RWD 活用事例を広く収集し、それらを体系的に整理することで RWD を用いた研究のカタログを整備することは②の課題解決に繋がる可能性がある。また、カタログの整備は研究パターンに応じた役割分担やプロセスの精緻化にも役立つ可能性がある。

RWD のデータの不均一性に伴う欠測値の扱い、バイアスの扱いに関する人材育成のニーズが高かった。また、RWD を用いた研究の基礎となるような疫学研究への投資（アウトカム定義のバリデーション研究）のニーズがあった。方法論だけでなく、応用場面を想定し、一定の研究費を必要とする実際的な疫学研究への投資が望まれる。

### 2.2.3. 市販後安全性

#### (1) 業務概要・考えられる RWD/RWE 活用場面

業務の例	業務の概要・考えられる RWD/RWE 活用場面
製造販売後 DB 調査	特定の医薬品における安全性イベントの重要なリスクに関して関連性を検討するために企業主導で行う製造販売後におこなわれる観察研究におけるデータソースとして用いることが可能。安全性イベントに対するリスク因子の検討や臨床試験では集められていない特定集団における安全性イベントの発生の頻度を検討する研究も考えられる。
安全性監視・安全性シグナル検出	市販された医薬品に対して医療機関やその他から自発的に有害事象が国に報告される。これらに加えて、医薬品との因果が疑われる有害事象の監視、シグナル検出を RWD を用いて評価することもできる。

#### (2) RWD/RWE を活用する上での課題

RWD 活用の課題を整理すると、大きく以下のカテゴリに分けることができた。

課題	詳細
RWD を社内で解析できる環境が不十分	RWD はサイズが大きいデータになる場合が多く、それを実際に手元の PC で解析できるサイズのものではないこ

	とが多い。すなわち、RWD を適切に解析するには社内インフラが整っている必要があるが、それは会社によって異なっており、そういったインフラが整っていない。
疫学的人材・リソースの確保ができない	RWD を扱う上でのデータマネジメント・プログラミング知識等の向上
部門間の連携が成熟していない	統計部門と疫学部門のコミュニケーション 統計部門といっても臨床試験を主にやっている部門であることが多く、実際に疫学研究を実施する際には、観察研究を行う疫学部門との背景知識や前提条件が異なる場合がある。
RWD の信頼性確認・網羅性の課題	-安全性アウトカム定義作成の難しさ 医師等の報告者から収集する有害事象と異なり、RWD で安全性を評価するには有害事象の定義を作成しなければならず、この定義作りとその妥当性の評価が難しい。特に、製造販売後 DB 調査ではアウトカム定義のバリデーション研究が必要となる場合があり、バリデーション研究の実施には医療機関の診療録と照合して評価する必要があり、その実施に膨大な費用とリソースがかかる。 -悉皆性と追跡性のある RWD 安全性の評価には悉皆性や追跡性の要素が重要であり、医療機関をまたがって追跡できない限界や追跡できたとしても、保険者が変わると追跡できない限界があると意思決定に結び付く結論が得られない可能性がある。
既存の方法と比べて RWD/RWE の利用の意思決定ができるだけの理解が得られていない (RWD 利用の有用性を示せていない)	- RWD 利用に対する理解不足 企業全体での RWD の理解の促進と経験値の蓄積が必要である。市販後の安全性監視の分野では使用成績調査が長年実施され、経験が多く蓄積されている。一方、RWD を使った市販後安全性研究は経験が非常に乏しい。RWD 利用の利点と欠点に関して意思決定者間の共通理解の醸成が成熟しておらず、結果として、しばしば前例踏襲主義としての使用成績調査の選択が行われやすい。

挙げた課題の内、比較的優先順位が高いものを挙げると以下の通りであった。

グループ	優先順位が高い課題
7	疫学的人材・リソースの確保ができない
8	既存の方法と比べて RWD/RWE の利用の意思決定ができるだけの理解が得られていない (RWD 利用の有用性を示せていない)

他分野と同様に「RWD/RWE の価値/有用性の理解」が大きな課題と考えられた。特に市販後安全性に関しては以前よりも既存の方法で安全性活動は行っていることから、既存の方法と比較した際に RWD を使うことで得られる更なる価値 (安全性監視上の意思決定に関わる科学的な根拠や安全性監視活動の運用の効率化等) を示していくハードルがある。もう一点は、「疫学的人材・リソースの確保ができない」という指摘が上がっている。市販後の安全性監視に関しては既に使用成績調査等の方法が確立し

ており、既存の方法を適切に運用できるための体制、役割分担、プロセスが構築されている。RWD を利用するには、この体制に加えて新たに体制を整備する必要がある。この新たな体制作りが利用のハードルとなっている。

## 2.2.4. HEOR/HTA

### (1) 業務概要・考えられる RWD/RWE 活用場面

業務の例	業務の概要・考えられる RWD/RWE 活用場面
費用対効果モデルの構築と分析	<ul style="list-style-type: none"> <li>費用対効果算出のためのグローバルモデルが存在し、それをローカルにあてはめる</li> <li>臨床開発では想像がつかないほど多数のパラメータがある…疫学的・人口学的・臨床的な背景情報（治療ライン等）／HCRU（例：入院期間、ICU の使用、人工呼吸器の使用…）／医療費／有効性：臨床試験データ、有害事象データ／QOL</li> <li>パラメータとなる情報の主な入手元は文献、統計、医療者への調査であるが、RWD も重要な情報源となり得る</li> </ul>
Evidence generation	<ul style="list-style-type: none"> <li>開発段階では得られない疫学的な情報、幅広い情報を得る</li> <li>アンメットメディカルニーズとは何かを明らかにする（burden of disease）</li> <li>市販後はより広い集団での有用性（comparative effectiveness）に対する情報も取得</li> <li>臨床試験で直接比較できない標準治療や競合薬に対して indirect comparison（間接比較）を行う</li> <li>以上の情報を取得する上で、RWD が重要な情報源となり得る</li> </ul>
臨床試験へのインプット	<ul style="list-style-type: none"> <li>HTA に必要な情報を開発段階から取得してもらうための働きかけ</li> <li>各国での保険償還、適切な薬価を得るために必要な情報を取得してもらうための働きかけ</li> </ul>

### (2) RWD/RWE を活用する上での課題

RWD/RWE 活用の課題を整理すると、大きく以下のカテゴリに分けることができた。

課題	詳細
RWD のデータ項目不足/網羅性の課題	重要な疫学情報（ワクチン接種歴、正確な病態データ等）および QOL の不足、代表性のあるデータの不足等
RWD へのアクセスの課題	自治体からデータを入手することに起因すると思われる課題があり、一部自治体からのみデータを受領することの潜在的なバイアス、ワクチン接種情報の不足、後期高齢者医療費請求データの入手が 1 年以上遅延することがある。これはデータ項目不足と連動しており、不足を埋めるために情報が集積されているデータベースを利用しようとすることで生じる限界の課題である。

RWD/RWE の価値/有用性を示しにくい	他領域と共通の課題 <ul style="list-style-type: none"> <li>・ RWD の価値の可視化が困難、RWD 活用の KPI がない</li> </ul> HEOR/HTA 特有の課題 <ul style="list-style-type: none"> <li>・ HEOR での RWD 活用の正当性説明の難しさ（特に代表性の課題：国全体の NDB 解析と民間企業が保有する DB 解析結果との間に差異が生じることがある。</li> </ul>
規制と政策の課題	HTA における RWD 活用の位置づけが不明確、専門分野ごとの RWD 品質要求の整理不足（HEOR で求められる RWD の品質と臨床開発で求められる RWD の品質は利用目的が異なるので異なってもよいはずなのに、行政側のルールが整理されていないように感じる）がある。 HEOR では臨床試験のような質や信頼性確認が重要視される利用ではなく、むしろスピード感が重要視され、質や信頼性確認の不十分さを補う方法論として多様な感度分析が実施され、意思決定には推定範囲の幅を考慮して利用されている。そのため、様々な角度で分析できるデータの幅（種類が豊富なこと）が重要視される
疫学的人材・リソースの確保の課題	HEOR/HTA での RWD 活用知識習得の国内機会不足、HE（医療経済）と OR（アウトカムリサーチ）で求められる専門性が異なることへの対応不足、特に内資・外資間で社内の専門部門（欧米本社機能）が異なることが多く、国内で必要な人的リソースも異なる

挙げた課題の内、比較的優先順位が高いものを挙げると以下の通りであった。

優先順位が高い課題
ワクチン接種歴等の重要情報の欠如：自治体情報を国が一元管理したデータベースを民間も利用できるようにする方がよい。特に HTA は国として求める評価であるため、上述のようなデータは製薬企業も利用できるべき。
QOL データ及び関連する病態データの欠如：例えば国として国民を対象に定期的な QOL 調査を実施してもよいのではないか。これにより、医薬品だけでなく、医療行為の QALY（Quality-adjusted life year）を評価し、費用対効果評価が精度高くできるようになる。
HTA における RWD 活用の位置づけの不明確さ：保健医療経済評価研究センター（C2H）は NDB を利用しているが、製薬企業は民間データベースを利用するというギャップがある。意思決定の基準となるため利用するデータソースは揃っていることが望ましい。

### 3. まとめ

- 臨床開発、Medical Affairs、市販後安全性、HEOR/HTA の 4 つの分野で RWD は異なる目的、異なる方法で利用されており、RWD に対する要求事項（データの項目、質、信頼性確認、網羅性等）も異なっていることがわかった（詳細は 2 項参照）。
- 4 つの分野で RWD に対する要求事項が違うにもかかわらず、いずれの分野で

も「社内において RWD/RWE の価値/有用性を示しにくい（価値・有用性の理解が得られにくい）」という課題が出てきていることは非常に興味深い。この背景にはどの分野でも RWD を使用しない従来のやり方があり、そこに対して新規の費用や人的リソースを割いて得られる価値を説明しないことには、RWD 利用に進めないハードルがある。

- もう一つの共通課題に、「部門間の連携が成熟していない」や「人材不足」といった課題が挙げられている。この背景には RWD 利用に関して、社内の体制、役割分担、プロセスが成熟していないことがあると考察した。
- 課題解決の第一歩として、RWD 利用の体制、役割分担、プロセスをそれぞれの分野で確立していくことが重要であると考えます。役割分担・プロセスが明確化されると、人的リソースや費用、タイムラインの管理が可能となり、これが RWD 利用にかかる費用の予見可能性を向上させる。RWD 利用の費用対効果を見積もる上で、費用の部分の精度や周囲への理解を向上させることで、結果として、費用に見合う価値の説明をしやすくなる考えた。
- これらの RWD 利用の体制、役割分担、プロセスの整備には、利用目的や方法によって RWD に対する要求事項が異なるため、利用目的や方法のカタログを整理して、その事案ごとにプロセスの整備をすることが重要である。これを行うことで、様々な使い方に対するリソースの見積もりが可能となり、RWD 利用にかかる費用が小さいものから大きなものまで明示でき、利用の意思決定を容易にする。
- その他に各分野で挙げてきた重要な課題として、「RWD を利用するまでに時間と労力（手続き・契約等）がかかる」「臨床疫学研究への投資不足」が挙げられた。RWD 利用促進するために、公的 DB 等のデータ保有者と利用する民間企業間で、利用までの時間短縮と契約手続きの簡便化を検討していくことは重要である。また、RWD 研究の下支えをするような臨床疫学研究をアカデミアに投資して推し進めることも重要である。ここで言う臨床疫学研究は、アウトカム定義のバリデーション研究のような疾患定義を確立するような研究を指している。RWD を用いた研究では、解析するために様々な要因（変数）を 1 つ 1 つ定義しないと行けない。この定義集を充実させる研究に投資が必要である。

#### 4. Reference

- [製造販売後 DB 調査（Feasibility 調査/信頼性確認）に関する現状把握のためのアンケート 報告書 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [医療情報 DB の利活用 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [医薬品開発でリアルワールドデータの二次利用を促進する政策等への期待 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [製造販売後データベース調査実施の手引き -2024 年 01 月版- | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [製造販売後データベース調査実施の手引き -2024 年 01 月版- | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [メディカルアフェアーズにおけるデータベース研究の実態と在り方に関する報告書 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [「医薬品開発及びデータ二次利用における個人情報保護に関する留意点」に関する Q&A | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [健康医療データと私たちの生活 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [医薬品の承認申請等にレジストリを利活用する際の社内プロセスフロー（社内提案からレジストリ改修まで） | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [Rare disease の治療効果の推測法 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [臨床試験データの共有を促進するために解決すべき課題について | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [薬事申請に Real World Data を外部対照として利用する際の留意点 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [製造販売後データベース調査に対する信頼性確保の課題検討 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [小児・希少疾患・難病レジストリの利活用促進に向けた検討 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [医薬品開発及びデータ二次利用における個人情報保護に関する留意点 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [リアルワールドデータ・疾患レジストリを活用した医薬品開発 | 医薬品評価委員](#)

## [会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)

- [医療情報データベース等を用いた医薬品の製造販売後データベース調査実施の留意事項 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [疾患レジストリのエコシステムを考える | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [医薬品開発におけるリアルワールドデータの活用 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [“Framework For FDAs Real World Evidence Program”の紹介 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [非ランダム化比較試験データを用いて治療効果を推定するための統計的手法 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [既存の国内リアルワールドデータを医薬品開発にどこまで活用できるか | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)
- [観察研究における感度分析の勧め 実践編 | 医薬品評価委員会の成果物 一覧 | 日本製薬工業協会](#)

ST2 メンバー

臨床開発ファシリテーター

大野 浩太      アッヴィ合同会社

塩境 一仁      第一三共株式会社

MA ファシリテーター

大石 昌仁      日本新薬株式会社

徳田 史恵      武田薬品工業株式会社

松永 友貴      ノバルティス ファーマ株式会社

吉田 征太郎    中外製薬株式会社

市販後安全性ファシリテーター

辻本 直人\*      日本イーライリリー株式会社

舟越 優          ファイザー株式会社

HEOR/HTA ファシリテーター

葛西 隆          中外製薬株式会社

東郷 香苗<sup>†</sup>      ファイザー株式会社

開会・閉会挨拶

弘 新太郎#      ファイザーR&D 合同会社

青木 事成<sup>◇</sup>      中外製薬株式会社

\* ラウンドテーブル リーダー

# ST2 リーダー

<sup>†</sup> ST3 リーダー (HEOR/HTA 分野の特別協力)

<sup>◇</sup> 医療情報 DB 活用促進 TF リーダー